



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/344876/2023
EMA/H/C/005145

Evrysdi (*risdiplam*)

Sintesi di Evrysdi e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Evrysdi e per cosa si usa?

Evrysdi è un medicinale utilizzato per trattare l'atrofia muscolare spinale (*spinal muscular atrophy*, SMA) 5q, una malattia genetica che provoca debolezza e atrofia muscolare, anche dei muscoli polmonari. È indicato in pazienti affetti da SMA di tipo 1, tipo 2 o tipo 3, o coloro che hanno fino a quattro copie di un gene noto come *SMN2*.

La SMA è rara ed Evrysdi è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 26 febbraio 2019. Maggiori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul sito web: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3192145.

Evrysdi contiene il principio attivo risdiplam.

Come si usa Evrysdi?

Il trattamento con Evrysdi deve essere iniziato e seguito da un medico con esperienza nel trattamento della SMA. Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Evrysdi va assunto per via orale una volta al giorno dopo i pasti, all'incirca alla stessa ora ogni giorno. Nei pazienti che non sono in grado di deglutire, Evrysdi può essere somministrato tramite un tubo attraverso il naso o la pelle fino allo stomaco.

Per maggiori informazioni sull'uso di Evrysdi, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Evrysdi?

I pazienti affetti da SMA sono privi di una proteina denominata "fattore di sopravvivenza del motoneurone" (SMN), che è essenziale per il normale funzionamento dei motoneuroni (cellule nervose del midollo spinale che controllano il movimento muscolare). Due geni, *SMN1* e *SMN2*, sono coinvolti nella produzione della proteina SMN. I pazienti affetti da SMA sono privi del gene *SMN1*, ma hanno una o più copie del gene *SMN2*, che per lo più producono una proteina SMN corta che non agisce tanto efficacemente quanto una proteina a lunghezza completa.

Il principio attivo di Evrysdi, risdiplam, è una piccola molecola che permette al gene *SMN2* di produrre la proteina a lunghezza completa, che può agire normalmente. Questo dovrebbe aumentare la

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



sopravvivenza dei motoneuroni, riducendo così i sintomi attuali della malattia e rallentandone la progressione.

Quali benefici di Evrysdi sono stati evidenziati negli studi?

Evrysdi si è rivelato efficace nel migliorare la funzionalità motoria nell'ambito di due studi principali condotti su pazienti affetti da SMA.

Uno studio condotto su 41 lattanti di età compresa tra due e sette mesi affetti da SMA di tipo 1 (il tipo più grave) mostra che il 29 % dei lattanti (12 su 41) è stato in grado di stare seduto senza supporto per più di 5 secondi dopo 12 mesi di trattamento con Evrysdi. Le precedenti osservazioni dei lattanti affetti da SMA hanno evidenziato che non sono mai in grado di stare seduti senza supporto.

Un secondo studio condotto su 180 pazienti affetti da SMA di tipo 2 e di tipo 3 fino a 25 anni di età ha mostrato un leggero miglioramento della funzionalità motoria (misurato tramite una scala denominata MFM32) nei pazienti trattati con Evrysdi: vi era una differenza di 1,6 punti rispetto al placebo (un trattamento fittizio) su una scala da 100 punti dopo 12 mesi di trattamento.

I dati di un ulteriore studio che ha coinvolto 18 neonati fino a sei settimane di età all'inizio del trattamento supportano l'uso di Evrysdi nei lattanti ai quali era stata diagnosticata la SMA ma che non presentavano ancora sintomi. Dei sette bambini che hanno ricevuto Evrysdi per almeno 12 mesi, sei hanno raggiunto tappe fondamentali (come stare seduti senza supporto) che abitualmente non potevano essere raggiunte da bambini con due copie di *SMN2* non trattati.

Quali sono i rischi associati a Evrysdi?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Evrysdi, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Evrysdi (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono febbre, eruzione cutanea, diarrea e mal di testa.

Perché Evrysdi è autorizzato nell'UE?

Gli effetti di Evrysdi sullo sviluppo della funzione motoria nei pazienti affetti da SMA di tipo 1, 2 e 3 sono stati considerati pertinenti, in particolare considerando la gravità della malattia. Nei bambini affetti da SMA di tipo 1, la forma più grave della malattia, Evrysdi permette ai lattanti di stare seduti senza supporto per più di 5 secondi dopo un anno di trattamento, il che non sarebbe possibile senza trattamento.

Evrysdi è anche benefico ai pazienti con un'insorgenza successiva di SMA (di tipo 2 e 3), sebbene gli effetti in questi pazienti siano modesti. Gli effetti indesiderati di Evrysdi sono considerati gestibili. Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Evrysdi sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Evrysdi?

La ditta che commercializza Evrysdi fornirà dati provenienti da uno studio di lungo termine sugli effetti del medicinale nei pazienti che hanno fino a quattro copie del gene *SMN2*, rispetto alla progressione della malattia nei pazienti che non sono mai stati trattati in precedenza con Evrysdi.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Evrysdi sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Evrysdi sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Evrysdi sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Evrysdi

Evrysdi ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio valida in tutta l'UE il 26 marzo 2021.

Ulteriori informazioni su Evrysdi sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/evrysdi.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 08-2023.